

【公報種別】特許法第 17 条の 2 の規定による補正の掲載

【部門区分】第 3 部門第 2 区分

【発行日】令和 5 年 6 月 20 日(2023.6.20)

【公開番号】特開 2023-78293(P2023-78293A)

【公開日】令和 5 年 6 月 6 日(2023.6.6)

【年通号数】公開公報(特許)2023-104

【出願番号】特願 2023-41621(P2023-41621)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00(2006.01)

10

A 6 1 K 47/12(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 47/54(2017.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 3/00(2006.01)

A 6 1 P 29/00(2006.01)

A 6 1 P 31/12(2006.01)

A 6 1 P 21/04(2006.01)

A 6 1 P 21/00(2006.01)

20

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

A 6 1 K 31/712(2006.01)

A 6 1 K 31/7125(2006.01)

A 6 1 P 37/04(2006.01)

A 6 1 K 39/00(2006.01)

A 6 1 K 38/02(2006.01)

A 6 1 K 31/70(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

30

C 0 7 K 2/00(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00 Z N A

A 6 1 K 47/12

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 47/54

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 3/00

40

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 21/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 31/712

A 6 1 K 31/7125

A 6 1 P 37/04

50

A 6 1 K 39/00                    G  
A 6 1 K 38/02  
A 6 1 K 31/70  
C 1 2 N 15/113                    Z  
C 0 7 K 2/00  
C 1 2 N 15/63                    Z

【手続補正書】

【提出日】令和5年6月12日(2023.6.12)

【手続補正1】

10

【補正対象書類名】特許請求の範囲

【補正対象項目名】全文

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

複数のオリゴヌクレオチドを含むキラル制御されたオリゴヌクレオチド組成物であって、前記複数のオリゴヌクレオチドは、

- 1) 共通塩基配列、
- 2) 骨格結合の共通パターン、および
- 3) 骨格リン修飾の共通パターンを共有し、

20

前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれは、2個又はそれ以上の連続した2'-F修飾糖を含み、

前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれにおける50%又はそれ以上の糖部分は、2'-F修飾糖であり、

前記複数のオリゴヌクレオチドは、5個以上のキラルヌクレオチド間結合で同一の立体化学を共有し、

前記複数のオリゴヌクレオチドのうちの1つ以上のオリゴヌクレオチドが、個々に脂質に複合体化されており、前記脂質は、置換されてもよいC<sub>10</sub>-C<sub>60</sub>の直鎖、飽和または部分不飽和の脂肪族鎖である、組成物。

30

【請求項2】

請求項1に記載の組成物であって、

前記複数のオリゴヌクレオチドが、それぞれのキラルヌクレオチド間結合において同一の立体化学を共有する、組成物。

【請求項3】

請求項1又は2に記載の組成物であって、

前記複数のオリゴヌクレオチドが、糖修飾の共通パターンを共有し、前記共通パターンは、5個またはそれ以上の連続的な2'-Fを含む、組成物。

【請求項4】

請求項1～3のいずれかに記載の組成物であって、

40

前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれは、少なくとも15ヌクレオチドの長さである、組成物。

【請求項5】

請求項1～4のいずれかに記載の組成物であって、

前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれは、10個又はそれ以上の修飾されたヌクレオチド間結合を有する、組成物。

【請求項6】

請求項5に記載の組成物であって、前記修飾されたヌクレオチド間結合は、独立して、ホスホロチオエートヌクレオチド間結合である、組成物。

【請求項7】

50

請求項 6 に記載の組成物であって、前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれにおける、少なくとも 80 % のホスホロチオエートヌクレオチド間結合は、S p 配置である、組成物。

【請求項 8】

請求項 6 に記載の組成物であって、前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれにおける、少なくとも 90 % のホスホロチオエートヌクレオチド間結合は、S p 配置である、組成物。

【請求項 9】

請求項 1 ~ 8 のいずれかに記載の組成物であって、  
前記複数のオリゴヌクレオチドは、1 個又はそれ以上の天然のリン酸結合を有する、組成物。 10

【請求項 10】

請求項 1 ~ 9 のいずれかに記載の組成物であって、  
前記複数のオリゴヌクレオチドは、1 つ又はそれ以上の 2' - O R<sup>1</sup> 修飾糖部分を有し、R<sup>1</sup> は、置換されてもよい C<sub>1</sub> - C<sub>6</sub> の脂肪族鎖である

【請求項 11】

請求項 10 に記載の組成物であって、  
前記複数のオリゴヌクレオチドのそれぞれは、1 つ又はそれ以上の 2' - O Me の修飾糖部分を有する、組成物。 20

【請求項 12】

請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載の組成物であって、  
前記複数のオリゴヌクレオチドは、同一である、組成物。

【請求項 13】

請求項 1 ~ 12 のいずれかに記載の組成物と、  
薬学的に許容可能な希釈剤、薬学的に許容可能な賦形剤、および薬学的に許容可能な担体から選択される薬学的に許容可能な不活性成分を少なくとも 1 つを含む、医薬組成物。

【請求項 14】

請求項 13 に記載の医薬組成物であって、  
前記複数のオリゴヌクレオチドは、独立して、薬学的に許容可能な塩の形態であってもよい、医薬組成物。 30

【請求項 15】

対象であるヒトの筋細胞または筋組織に送達されるために用いられる、請求項 1 ~ 12 のいずれかに記載の組成物であるか、又は請求項 13 及び 14 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 16】

細胞中の遺伝子の転写産物または遺伝子産物のレベルを調節するために用いられる、請求項 1 ~ 12 のいずれかに記載の組成物であるか、又は請求項 13 及び 14 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 17】

癌； 40  
増殖性の疾患、障害、または状態；  
代謝性の疾患、障害、または状態；  
炎症性の疾患、障害、または状態；及び  
ウイルス感染から選択される、  
対象中の疾患、障害、または状態の兆候および症状のいずれか又は両方を治療するために用いられる、  
請求項 1 ~ 12 のいずれかに記載の組成物であるか、又は請求項 13 及び 14 のいずれかに記載の医薬組成物。